

(12) DEMANDE INTERNATIONALE PUBLIÉE EN VERTU DU TRAITÉ DE COOPÉRATION  
EN MATIÈRE DE BREVETS (PCT)

(19) Organisation Mondiale de la Propriété  
Intellectuelle  
Bureau international



(43) Date de la publication internationale  
23 décembre 2004 (23.12.2004)

PCT

(10) Numéro de publication internationale  
**WO 2004/111090 A2**

(51) Classification internationale des brevets<sup>7</sup> :  
**C07K 19/00**

(21) Numéro de la demande internationale :  
PCT/FR2004/001435

(22) Date de dépôt international : 9 juin 2004 (09.06.2004)

(25) Langue de dépôt : français

(26) Langue de publication : français

(30) Données relatives à la priorité :  
03/06944 10 juin 2003 (10.06.2003) FR

(71) Déposant (pour tous les États désignés sauf US) :  
BIONEXIS [FR/FR]; IFSI, 1, allée de la Terrasse, Bât.  
05, F-91198 Gif sur Yvette (FR).

(72) Inventeurs; et

(75) Inventeurs/Déposants (pour US seulement) :  
RUSSO-MARIE, Françoise [FR/FR]; 105, rue des  
Bruyères, F-92310 Sèvres (FR). SAMSON, Alain  
[FR/FR]; 2, avenue de la Villeneuve, F-91940 Gometz Le  
Chatel (FR).

(74) Mandataires : GALLOIS, Valérie etc.; Becker & Asso-  
ciés, 35, rue des Mathurins, F-75008 Paris (FR).

(81) États désignés (sauf indication contraire, pour tout titre de  
protection nationale disponible) : AE, AG, AL, AM, AT,  
AU, AZ, BA, BB, BG, BR, BW, BY, BZ, CA, CH, CN, CO,  
CR, CU, CZ, DE, DK, DM, DZ, EC, EE, EG, ES, FI, GB,  
GD, GE, GH, GM, HR, HU, ID, IL, IN, IS, JP, KE, KG,  
KP, KR, KZ, LC, LK, LR, LS, LT, LU, LV, MA, MD, MG,  
MK, MN, MW, MX, MZ, NA, NI, NO, NZ, OM, PG, PH,  
PL, PT, RO, RU, SC, SD, SE, SG, SK, SL, SY, TJ, TM, TN,  
TR, TT, TZ, UA, UG, US, UZ, VC, VN, YU, ZA, ZM, ZW.

(84) États désignés (sauf indication contraire, pour tout titre  
de protection régionale disponible) : ARIPO (BW, GH,  
GM, KE, LS, MW, MZ, NA, SD, SL, SZ, TZ, UG, ZM,  
ZW), eurasien (AM, AZ, BY, KG, KZ, MD, RU, TJ, TM),  
européen (AT, BE, BG, CH, CY, CZ, DE, DK, EE, ES, FI,  
FR, GB, GR, HU, IE, IT, LU, MC, NL, PL, PT, RO, SE, SI,  
SK, TR), OAPI (BF, BJ, CF, CG, CI, CM, GA, GN, GQ,  
GW, ML, MR, NE, SN, TD, TG).

**Déclaration en vertu de la règle 4.17 :**

— relative à la qualité d'inventeur (règle 4.17.iv)) pour US  
seulement

**Publiée :**

— sans rapport de recherche internationale, sera republiée  
dès réception de ce rapport

En ce qui concerne les codes à deux lettres et autres abrégia-  
tions, se référer aux "Notes explicatives relatives aux codes et  
abréviations" figurant au début de chaque numéro ordinaire de  
la Gazette du PCT.

(54) Title: MOLECULES FOR TARGETING AND RELEASING THERAPEUTIC COMPOUNDS, AND THE USE THEREOF

(54) Titre : MOLECULES DE CIBLAGE ET DE LIBÉRATION DE COMPOSÉS THÉRAPEUTIQUES ET LEUR UTILISATION

(57) Abstract: The invention relates to chimera molecules for targeting and releasing therapeutic compounds in mammals, especially humans. The inventive molecules have essentially three functional segments or domains: a targeting segment that can preferentially bind to the surface of the targeted cells, a therapeutic segment comprising the biologically active compound, and a segment which binds the targeting segment and the therapeutic segment and can be cleaved onto the target site. The invention also relates to the preparation of said molecules, to synthesis intermediates or domains thereof, to pharmaceutical compositions containing the same, and to the use thereof, especially in the pharmaceutical field. The inventive molecules and compositions are especially adapted to the targeting of pathological cells in an apoptotic phase, and to the treatment of pathologies or associated tissues, especially cancers and inflammation.

(57) Abrégé : La présente invention se rapporte à des molécules chimères permettant le ciblage et la libération de composés thérapeutiques chez des mammifères, notamment des humains. Les molécules de l'invention comprennent principalement trois segments ou domaines fonctionnels : un segment de ciblage, capable de se lier préférentiellement à la surface des cellules ciblées, un segment thérapeutique, comprenant le composé biologiquement actif, et un segment de liaison entre le segment de ciblage et le segment thérapeutique, le segment de liaison étant clivable sur le site cible. L'invention concerne également la préparation de ces molécules, des intermédiaires de synthèse ou domaines de celles-ci, des compositions pharmaceutiques les contenant, et leurs utilisation, en particulier dans le domaine pharmaceutique. Les molécules et compositions de l'invention sont tout particulièrement adaptées au ciblage de cellules pathologiques engagées dans une voie apoptotique, et au traitement de pathologies ou tissus associés, notamment les cancers et l'inflammation.

WO 2004/111090 A2

(12) DEMANDE INTERNATIONALE PUBLIÉE EN VERTU DU TRAITÉ DE COOPÉRATION  
EN MATIÈRE DE BREVETS (PCT)

(19) Organisation Mondiale de la Propriété  
Intellectuelle  
Bureau international



(43) Date de la publication internationale  
23 décembre 2004 (23.12.2004)

PCT

(10) Numéro de publication internationale  
WO 2004/111090 A3

(51) Classification internationale des brevets<sup>7</sup> :  
C07K 19/00, 14/47, A61K 38/02

(21) Numéro de la demande internationale :  
PCT/FR2004/001435

(22) Date de dépôt international : 9 juin 2004 (09.06.2004)

(25) Langue de dépôt : français

(26) Langue de publication : français

(30) Données relatives à la priorité :  
03/06944 10 juin 2003 (10.06.2003) FR

(71) Déposant (pour tous les États désignés sauf US) :  
BIONEXIS [FR/FR]; IFSI, 1, allée de la Terrasse, Bât.  
05, F-91198 Gif sur Yvette (FR).

(72) Inventeurs; et

(75) Inventeurs/Déposants (pour US seulement) :  
RUSSO-MARIE, Françoise [FR/FR]; 105, rue des  
Bruyères, F-92310 Sèvres (FR). SAMSON, Alain  
[FR/FR]; 2, avenue de la Villeneuve, F-91940 Gometz Le  
Chatel (FR).

(74) Mandataires : GALLOIS, Valérie etc.; Becker et Asso-  
ciés, 25 Rue Louis Le Grand, F-75002 Paris (FR).

(81) États désignés (sauf indication contraire, pour tout titre de  
protection nationale disponible) : AE, AG, AL, AM, AT,

AU, AZ, BA, BB, BG, BR, BW, BY, BZ, CA, CH, CN, CO,  
CR, CU, CZ, DE, DK, DM, DZ, EC, EE, EG, ES, FI, GB,  
GD, GE, GH, GM, HR, HU, ID, IL, IN, IS, JP, KE, KG,  
KP, KR, KZ, LC, LK, LR, LS, LT, LU, LV, MA, MD, MG,  
MK, MN, MW, MX, MZ, NA, NI, NO, NZ, OM, PG, PH,  
PL, PT, RO, RU, SC, SD, SE, SG, SK, SL, SY, TJ, TM, TN,  
TR, TT, TZ, UA, UG, US, UZ, VC, VN, YU, ZA, ZM, ZW.

(84) États désignés (sauf indication contraire, pour tout titre  
de protection régionale disponible) : ARIPO (BW, GH,  
GM, KE, LS, MW, MZ, NA, SD, SL, SZ, TZ, UG, ZM,  
ZW), eurasiatique (AM, AZ, BY, KG, KZ, MD, RU, TJ, TM),  
européen (AT, BE, BG, CH, CY, CZ, DE, DK, EE, ES, FI,  
FR, GB, GR, HU, IE, IT, LU, MC, NL, PL, PT, RO, SE, SI,  
SK, TR), OAPI (BF, BJ, CF, CG, CI, CM, GA, GN, GQ,  
GW, ML, MR, NE, SN, TD, TG).

Déclaration en vertu de la règle 4.17 :

— relative à la qualité d'inventeur (règle 4.17.iv) pour US  
seulement

Publiée :

— avec rapport de recherche internationale

(88) Date de publication du rapport de recherche  
internationale: 9 septembre 2005

En ce qui concerne les codes à deux lettres et autres abrégia-  
tions, se référer aux "Notes explicatives relatives aux codes et  
abréviations" figurant au début de chaque numéro ordinaire de  
la Gazette du PCT.

(54) Title: MOLECULES FOR TARGETING AND RELEASING THERAPEUTIC COMPOUNDS, AND THE USE THEREOF

(54) Titre : MOLECULES DE CIBLAGE ET DE LIBÉRATION DE COMPOSÉS THÉRAPEUTIQUES ET LEUR UTILISATION

(57) Abstract: The invention relates to chimera molecules for targeting and releasing therapeutic compounds in mammals, especially humans. The inventive molecules have essentially three functional segments or domains: a targeting segment that can preferentially bind to the surface of the targeted cells, a therapeutic segment comprising the biologically active compound, and a segment which binds the targeting segment and the therapeutic segment and can be cleaved onto the target site. The invention also relates to the preparation of said molecules, to synthesis intermediates or domains thereof, to pharmaceutical compositions containing the same, and to the use thereof, especially in the pharmaceutical field. The inventive molecules and compositions are especially adapted to the targeting of pathological cells in an apoptotic phase, and to the treatment of pathologies or associated tissues, especially cancers and inflammation.

(57) Abrégé : La présente invention se rapporte à des molécules chimères permettant le ciblage et la libération de composés thérapeutiques chez des mammifères, notamment des humains. Les molécules de l'invention comprennent principalement trois segments ou domaines fonctionnels : un segment de ciblage, capable de se lier préférentiellement à la surface des cellules ciblées, un segment thérapeutique, comprenant le composé biologiquement actif, et un segment de liaison entre le segment de ciblage et le segment thérapeutique, le segment de liaison étant clivable sur le site cible. L'invention concerne également la préparation de ces molécules, des intermédiaires de synthèse ou domaines de celles-ci, des compositions pharmaceutiques les contenant, et leurs utilisation, en particulier dans le domaine pharmaceutique. Les molécules et compositions de l'invention sont tout particulièrement adaptées au ciblage de cellules pathologiques engagées dans une voie apoptotique, et au traitement de pathologies ou tissus associés, notamment les cancers et l'inflammation.

WO 2004/111090 A3